

## PRESSEMITTEILUNG

# Basilea gibt solide Ergebnisse des Geschäftsjahrs 2015 bekannt und lanciert mit CRESEMBA® ihr zweites Spital-Antiinfektivum in Europa

- Zulassung von CRESEMBA® in den USA und Europa; Markteinführung in den USA durch Astellas
- Lancierung von Zevtera® in wichtigen europäischen Ländern
- Veröffentlichung von Interimdaten aus Phase-2a-Studie (i. v.) mit Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553 und Beginn einer Phase-1-Studie (oral); Initiierung einer Phase-1-Studie mit panRAF-SRC-Kinase-Inhibitor BAL3833, einem Medikamentenkandidaten für die Krebstherapie
- Ausgabe einer CHF 200 Mio. Wandelanleihe; liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen zum Jahresende in Höhe von CHF 364.7 Mio.

**Basel, 29. Februar 2016** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute ihre Finanzergebnisse für das Geschäftsjahr 2015 bekannt. Zum Jahresende verfügte das Unternehmen über einen soliden Liquiditätsbestand in Höhe von CHF 364.7 Mio. bei einem Gesamtverlust in Höhe von CHF 61.6 Mio., der auf Basileas Investitionen in die Markteinführung ihrer beiden Spital-Antiinfektiva Zevtera® und CRESEMBA® zurückzuführen ist.

Ronald Scott, Basileas Chief Executive Officer, sagte: "2015 haben wir bedeutende Meilensteine erreicht. Die Zulassungen von Isavuconazol in den USA und Europa waren wichtige Fortschritte für Basilea. Wir sind nun in der Lage, eine neue Therapieoption zur Behandlung lebensbedrohlicher invasiver Pilzinfektionen auf den Markt zu bringen, nachdem zuvor fast ein Jahrzehnt lang keine neuen Wirkstoffe lanciert wurden. Ausserdem haben wir in unseren europäischen Kernmärkten eine dedizierte Vertriebsorganisation aufgebaut, die in der Lage ist, zusätzlich zur Vermarktung von Zevtera auch CRESEMBA zu lancieren. 2015 markiert auch die Verstärkung unserer Onkologie-Pipeline. Für unseren Tumor-Checkpoint-Controller haben wir eine Phase-1-Studie mit der oralen Darreichungsform begonnen und einen zweiten Medikamentenkandidaten, einen panRAF-SCR-Kinase-Inhibitor, in die Phase 1 der klinische Prüfung überführt."

Isavuconazol wurde von der US-Zulassungsbehörde (Food and Drug Administration, FDA) zur Behandlung invasiver Aspergillose und invasiver Mukormykose bei erwachsenen Patienten zugelassen. Die Markteinführung in den USA unter dem Handelsnamen CRESEMBA® erfolgte durch unseren Lizenznehmer Astellas Pharma U.S. In Europa erteilte die Europäische Kommission Isavuconazol die Marktzulassung zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Aspergillose sowie von erwachsenen Patienten mit Mukormykose, bei denen eine Behandlung mit dem Wirkstoff Amphotericin B nicht angemessen ist. Nach Einreichung von Dossiers zur Preisgestaltung und Kostenerstattung in allen wichtigen europäischen Märkten erfolgt die Markteinführung von CRESEMBA® zunächst im Vereinigten Königreich und Deutschland, anschliessend dann in Italien und Frankreich.

2015 wurde das Anti-MRSA-Breitspektrum-Antibiotikum Zevtera® (Ceftobiprol) in Frankreich, Italien, dem Vereinigten Königreich und Österreich auf dem Markt eingeführt. Zuvor war das Medikament zur Behandlung schwerer, bakterieller Lungenentzündungen bereits in Deutschland

lanciert worden. Auf regionaler und Spital-Ebene wurden erste Arzneimittel-Listungen (Formulary Access) erreicht. 2015 erweiterte Basilea zudem im Rahmen einer Distributionsvereinbarung mit Hikma die kommerzielle Verfügbarkeit von Zevtera® auf den Nahen Osten und Nordafrika (MENA-Region).

Um Ceftobiprol potenziell auf den US-amerikanischen Markt zu bringen, bereitet Basilea derzeit Phase-3-Studienprotokolle in den Indikationen ambulant erworbene, bakterielle Lungenentzündung (CABP), akute bakterielle Haut- und Weichteilinfektionen (ABSSSI) und von *Staphylococcus aureus* verursachte Bakteriämie vor. Basilea plant, diese Protokolle bei der FDA einzureichen und sogenannte Special Protocol Assessments (SPAs) zu beantragen.

Ceftobiprol hat von der US-FDA den QIDP-Status (Qualified Infectious Disease Product) für CABP und ABSSSI erhalten. Somit würde das Produkt bei Markteinführung in den USA insgesamt über eine zehnjährige Marktexklusivität in diesen Indikationen verfügen. Ein Teil der Ende 2015 durch Ausgabe der Wandelanleihe erzielten Erlöse könnte für eine finanzielle Beteiligung an einem potenziellen US-Phase-3-Programm eingesetzt werden, um eine US-Marktzulassung zu erlangen.

Für ihr Gramnegativ-Antibiotikum BAL30072 hat Basilea die Entwicklung einer inhalativen Dosierungsform initiiert. Diese könnte zur Behandlung bakterieller Lungeninfektionen bei zystischer Fibrose und Bronchiektasie eingesetzt werden. Die Entwicklung erfolgt im Rahmen des „inhaled Antibiotics in Bronchiectasis and Cystic fibrosis“ (iABC) Konsortiums, das ein Teil des Europäischen „New Drugs for Bad Bugs“ (NB4BB) Programms innerhalb der „Innovative Medicines Initiative“ (IMI) der Europäischen Union ist.

Zusätzlich hat Basilea im Jahr 2015 Fortschritte bei ihren Produktkandidaten für die Krebstherapie erzielt. Der panRAF-SRC-Kinase-Inhibitor für eine zielgerichtete Krebstherapie BAL3833 befindet sich nun in Phase 1 der klinischen Entwicklung. Dieser Wirkstoff hat das Potenzial für eine neue Behandlungsoption bei resistentem Melanom und anderen Krebsarten. Darüber hinaus konnte in der Phase-1/2a-Studie mit der intravenösen Darreichungsform des Tumor-Checkpoint-Controllers BAL101553 die Patientenrekrutierung abgeschlossen werden. Interim-Daten dieser Studie zeigten erste Signale eines klinischen Nutzens bei bereits intensiv vortherapierten Patienten mit soliden Tumoren. Die derzeit in Phase 1 der klinischen Entwicklung befindliche orale Darreichungsform von BAL101553 könnte eine erhöhte Flexibilität hinsichtlich der Dosierung sowohl als Einzelwirkstoff als auch im Rahmen von Kombinationsstrategien für die Behandlung bieten. Die Gehirngängigkeit des Wirkstoffs, seine potente Wirksamkeit gegen Glioblastoma-Tumor- und stammzellähnliche Zellen sowie weitere präklinische Daten unterstützen seine Entwicklung zur Behandlung von Hirntumoren, einem Gebiet mit hohem medizinischem Bedarf.

CEO Ronald Scott ergänzte: „Unser Fokus für 2016 liegt auf der Markteinführung von CRESEMBA in unseren wichtigen europäischen Märkten. Wir planen, die Arzneimittel-Listungen für Zevtera auszuweiten und den Absatz in Europa zu steigern. Ausserdem führen wir aktiv Gespräche über Distributionsvereinbarungen für Zevtera und CRESEMBA für weitere Regionen. Es ist unser Ziel, für die Phase-3-Entwicklung von Ceftobiprol für weitere Indikationen eine Kooperation einzugehen, in deren Rahmen das Medikament auf den wichtigen U.S.-Markt gebracht werden könnte. Darüber hinaus beabsichtigen wir, unser Onkologie-Portfolio weiter voranzubringen, indem wir die klinische Phase-1-Studie mit der oralen Darreichungsform von BAL101553 durch Aufnahme von Glioblastoma-Patienten erweitern.“

## Wesentliche Kennzahlen

<i>(In Mio. CHF, ausser Angaben je Aktie)</i>	<b>2015</b>	<b>2014</b>
Umsatz aus Verträgen	51.2	42.1
Umsatz aus Forschungs- und Entwicklungsdienstleistungen	0.5	0.4
Sonstiger Umsatz	1.2	0.1
<b>Umsatz gesamt</b>	<b>52.8</b>	<b>42.6</b>
Forschungs- und Entwicklungsaufwand, netto	(60.1)	(54.4)
Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	(54.2)	(30.1)
<b>Betriebsaufwand gesamt</b>	<b>(114.3)</b>	<b>(84.5)</b>
<b>Betriebsverlust</b>	<b>(61.5)</b>	<b>(41.8)</b>
<b>Konzernverlust</b>	<b>(61.6)</b>	<b>(41.5)</b>
Netto-Kapitalfluss aus operativer Geschäftstätigkeit	(67.8)	(71.5)
Liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen	364.7	226.1
Verlust je Aktie, nicht verwässert und verwässert, in CHF	(6.09)	(4.17)

Anmerkung: Konsolidierte Zahlen gemäss US GAAP; Rundungen wurden konsistent vorgenommen.

Die Konzernjahresrechnung der Basilea Pharmaceutica AG für das Geschäftsjahr 2015 ist auf der Internetseite der Gesellschaft einsehbar unter <http://annualreport.basilea.com>.

## Zusammenfassung der Finanzergebnisse

Im Geschäftsjahr 2015 belief sich der Umsatz aus Verträgen auf CHF 51.2 Mio. (2014: CHF 42.1 Mio.), inklusive CHF 37.6 Mio. (2014: CHF 36.9 Mio.) im Zusammenhang mit der globalen Vereinbarung mit Stiefel, einem Unternehmen der GlaxoSmithKline-Gruppe (GSK), bezüglich Toctino® sowie CHF 13.6 Mio. (2014: CHF 5.2 Mio.) im Zusammenhang mit der Lizenzvereinbarung mit Astellas bezüglich Isavuconazol. Der gesamte Umsatz, einschliesslich Umsätzen aus Produktverkäufen, belief sich im Geschäftsjahr 2015 auf CHF 52.8 Mio. (2014: CHF 42.6 Mio.).

Der Netto-Forschungs- und -Entwicklungsaufwand belief sich im Geschäftsjahr 2015 auf CHF 60.1 Mio. (2014: CHF 54.4 Mio.) und entstand hauptsächlich im Zusammenhang mit der Phase-1/2a-Entwicklung des Krebsmedikamentenkandidaten BAL101553, den Kosten für die Initiierung eines pädiatrischen Studienprogramms für Ceftobiprol, Aktivitäten im Zusammenhang mit dem Isavuconazol-Programm, einschliesslich der Aufwendungen für das Anlegen von Vorräten vor der Markteinführung sowie der weiteren Entwicklung von BAL30072.

Der Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeine Aufwand belief sich auf CHF 54.2 Mio. (2014: CHF 30.1 Mio.) und entstand hauptsächlich im Zusammenhang mit den kommerziellen Aktivitäten zur Vorbereitung und Unterstützung der Markteinführung von Isavuconazol unter dem Handelsnamen CRESEMBA® in wichtigen europäischen Ländern und der Vermarktung von Ceftobiprol unter dem Handelsnamen Zevtera®/Mabelio® in Deutschland, Frankreich, Italien und dem Vereinigten Königreich.

Im Geschäftsjahr 2015 belief sich der Betriebsverlust auf CHF 61.5 Mio., verglichen mit CHF 41.8 Mio. im Geschäftsjahr 2014. Diese Veränderung ist im Wesentlichen bedingt durch höhere betriebliche Aufwendungen in Bezug auf Aktivitäten zur Vermarktung von Zevtera®/Mabelio® und vorbereitende Aktivitäten für eine Markteinführung von CRESEMBA®. Der

Konzernverlust belief sich auf CHF 61.6 Mio. (2014: CHF 41.5 Mio.) und der nicht verwässerte und verwässerte Verlust je Aktie auf CHF 6.09 (2014: CHF 4.17).

Der Netto-Kapitalabfluss durch operative Geschäftstätigkeit belief sich im Geschäftsjahr 2015 auf CHF 67.8 Mio., im Vergleich zu CHF 71.5 Mio. im Geschäftsjahr 2014. Der Rückgang ist im Wesentlichen auf die von Astellas 2015 erhaltene Meilensteinzahlung in Höhe von CHF 30.0 Mio. aufgrund der Erteilung der Marktzulassung für Isavuconazol in den USA zurückzuführen.

Zum 31. Dezember 2015 verfügte Basilea über liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen in Höhe von insgesamt CHF 364.7 Mio., verglichen mit CHF 226.1 Mio. zum 31. Dezember 2014.

## Finanzieller Ausblick

Im Geschäftsjahr 2016 fokussiert sich Basilea auf die Markteinführung von CRESEMBA® und dessen Etablierung in Spitälern in Deutschland, Frankreich, Italien und dem Vereinigten Königreich sowie auf die Vermarktung von Zevtera®/Mabelio® in Spitälern in wichtigen europäischen Ländern. Für 2016 erwartet Basilea einen durchschnittlichen Betriebsaufwand von rund CHF 9 - 10 Mio. pro Monat. Basileas durchschnittlicher Betriebsverlust wird in 2016 auf rund CHF 4 - 5 Mio. pro Monat geschätzt. Für das Gesamtjahr 2016 werden Umsätze aus Produktverkäufen in Höhe von rund CHF 5 Mio. erwartet.

## Pipeline-Status

**CRESEMBA® (Isavuconazol)** ist ein intravenös (i. v.) und oral verabreichbares Antimykotikum aus der Wirkstoffklasse der Azole gegen invasive Schimmelpilzinfektionen, das in den USA und bestimmten europäischen Ländern vermarktet wird.

Isavuconazol ist die aktive Wirksubstanz des Prodrugs Isavuconazoniumsulfat. Basilea entwickelte den Wirkstoff zusammen mit Astellas Pharma Inc., die im Rahmen der Vereinbarung die Vermarktungsrechte für Isavuconazol in den USA erhalten hat. Für Märkte ausserhalb der USA liegen die vollen Isavuconazol-Rechte bei Basilea. CRESEMBA® wurde im März 2015 durch die U.S.-Arzneimittelbehörde Food and Drug Administration (FDA) zur Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mukormykose für Patienten ab 18 Jahren zugelassen. Basilea erhält eine Beteiligung an den US-Umsätzen von Astellas in Form von Lizenzgebühren und umsatzabhängigen Meilensteinzahlungen. Im Oktober 2015 hat die Europäische Kommission Isavuconazol die Marktzulassung zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Aspergillose sowie von erwachsenen Patienten mit Mukormykose, bei denen eine Behandlung mit dem Wirkstoff Amphotericin B nicht angemessen ist, erteilt. Die europäische Marktzulassung ist gültig in allen 28 Mitgliedsstaaten der Europäischen Union (EU) sowie in Island, Liechtenstein und Norwegen.

Im Juli 2015 gab Basilea die Topline-Ergebnisse der Studie ACTIVE bei Patienten mit invasiver Candidämie und anderen invasiven Candida-Infektionen bekannt. Die ACTIVE-Studie hat ihr primäres Ziel, den Nachweis einer vergleichbaren Wirksamkeit (non-inferiority) von Isavuconazol gegenüber einem Vergleichsmedikament am Ende der intravenösen Behandlung, nicht erreicht. Die Gesamtansprechrate zwei Wochen nach Therapieende, der wichtigste sekundäre Endpunkt der Studie, war jedoch in beiden Behandlungsgruppen vergleichbar. Des Weiteren zeigte sich Vergleichbarkeit zwischen den Behandlungsgruppen hinsichtlich des sekundären Endpunkts Gesamtsterblichkeit an den Studientagen 14 und 56.

**Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol Medocaril)** ist ein intravenös verabreichbares Breitspektrum-Antibiotikum mit bakterizider Wirkung gegenüber grampositiven und gramnegativen Erregern von Lungenentzündungen, einschliesslich Methicillin-resistenter *Staphylococcus aureus* (MRSA) und empfindlicher Stämme von *Pseudomonas spp.*, das in den wichtigsten europäischen Ländern vermarktet wird.

Ceftobiprol (europäische Handelsnamen sind landesabhängig Zevtera® oder Mabelio®) verfügt in 13 europäischen Ländern und Kanada über nationale Zulassungen zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit ambulant und im Spital erworbener Lungenentzündung (mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie) und wurde bisher in Deutschland, Frankreich, Italien, Grossbritannien und Österreich auf dem Markt eingeführt. In den USA verfügt Ceftobiprol über keine Zulassung.

Basilea hat eine exklusive Zevtera®-Vertriebs- und Liefervereinbarung mit Hikma Pharmaceuticals LLC für den Nahen Osten und Nordafrika (MENA-Region) abgeschlossen.

**BAL30072** ist ein in der Entwicklung befindliches Monosulfaktam-Antibiotikum mit Wirksamkeit gegenüber vielen klinisch relevanten multiresistenten gramnegativen Erregern.

Im Rahmen eines Vertrags mit der US-amerikanischen Biomedical Advanced Research and Development Authority (BARDA) wurde eine Phase-1-Studie durchgeführt, in der die intravenös verabreichte Form von BAL30072 in Kombination mit dem Carbapenem-Antibiotikum Meropenem untersucht wurde. Die präklinische Entwicklung einer inhalierbaren Darreichungsform von BAL30072 zur Behandlung von bakteriellen Lungenentzündungen wurde von Basilea im Rahmen einer Vereinbarung mit dem europäischen iABC-Konsortium initiiert ("inhaled Antibiotics in Bronchiectasis and Cystic fibrosis").

**BAL101553** ist ein Tumor-Checkpoint-Controller-Kandidat, dessen intravenöse Darreichungsform sich in der Phase 2a und die orale Darreichungsform in der Phase 1 befinden.

BAL101553 ist ein niedermolekularer, Mikrotubuli-destabilisierender Wirkstoff, der durch Aktivierung eines Kontrollpunkts in der Zellproliferation Tumorzellen zum Absterben bringt. Eine Phase-2a-Studie mit der intravenösen Darreichungsform von BAL101553 steht vor dem Abschluss, während die orale Darreichungsform sich in der Phase 1 befindet, beides bei Krebspatienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren. Eine orale Darreichungsform von BAL101553 könnte zusätzliche Flexibilität im Hinblick auf die mögliche Behandlung verschiedener Tumorarten als Einzelwirkstoff oder in Kombination bieten.

**BAL3833** ist ein oral verfügbarer Antikrebs-Medikamentenkandidat (panRAF-SRC-Kinase-Inhibitor), der gegen Tumorzellwachstum und Resistenzen gegenüber derzeitigen Behandlungsoptionen gerichtet ist und sich in der Phase 1 befindet.

BAL3833 ist die Leitsubstanz einer neuen Klasse von panRAF-SRC-Kinase-Inhibitoren, die gegenüber Tumoren mit Resistenz gegen derzeit verfügbare RAF-Kinase-Inhibitoren aktiv sind. Basilea entwickelt BAL3833 im Rahmen einer Lizenzvereinbarung mit einem Konsortium, dem unter anderem das Institute of Cancer Research, London, Cancer Research Technology, Wellcome Trust sowie die Universität Manchester angehören.

**Toctino® (orales Alitretinoin)** ist ein Dermatologie-Medikament für die systemische Behandlung von Erwachsenen mit schwerem chronischem Handekzem, das nicht auf starke topische Kortikosteroide anspricht.

Im Juli 2012 wurden die weltweiten Rechte an Toctino® auf Stiefel, ein Unternehmen der GlaxoSmithKline-Gruppe (GSK), übertragen. GSK vermarktet Toctino® in einer Reihe von Ländern; in den USA ist orales Alitretinoin ein Entwicklungspräparat und nicht von der FDA zugelassen. GSK hat im Januar 2016 Basilea über seine Entscheidung informiert, sein US-Alitretinoin-Programm einzustellen. Basilea hat die Option, die US-Rechte an Alitretinoin von GSK zurückzuerhalten.

## Telefonkonferenz

Basilea Pharmaceutica AG lädt am heutigen Montag, 29. Februar 2016, um 16:00 Uhr (MEZ) zu einer Telefonkonferenz ein, um den Inhalt dieser Pressemitteilung zu besprechen.



Die Einwahlnummern sind:

+41 (0) 58 310 5000 (Europa und ROW)  
+1 (1) 631 570 5613 (USA)  
+44 (0) 203 059 5862 (UK)

Eine Aufzeichnung wird eine Stunde nach der Telefonkonferenz zur Verfügung gestellt und kann bis Mittwoch, 2. März 2016, um 18:00 Uhr (MEZ) abgerufen werden.

Teilnehmer, die sich die Aufzeichnung anhören möchten, wählen:

+41 (0) 91 612 4330 (Europa und ROW)  
+1 (1) 866 416 2558 (USA)  
+44 (0) 207 108 6233 (UK)

und werden gebeten, die ID 10816 gefolgt vom # Zeichen einzugeben.

### Informationen für Aktionäre

Die Aktionäre der Basilea Pharmaceutica AG werden darüber informiert, dass die ordentliche Generalversammlung der Basilea Pharmaceutica AG am **Donnerstag, 21. April 2016, um 14 Uhr im Radisson Blu Hotel in Basel** stattfinden wird. Die Einladung wird im Schweizerischen Handelsamtsblatt (SHAB) publiziert werden. Teilnahme- und stimmberechtigt sind Aktionäre, die am 8. April 2016 im Aktienbuch mit Stimmrecht eingetragen sind.

### Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entwicklung von Antibiotika, Antimykotika und Medikamenten zur Krebstherapie spezialisiert hat. Basileas Therapeutika zielen dabei auf das Problem der zunehmenden Resistenzen gegen bzw. das Nicht-Ansprechen auf derzeitige Behandlungsmöglichkeiten ab. Mittels der integrierten Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten der Tochtergesellschaft Basilea Pharmaceutica International AG erforscht, entwickelt und vermarktet das Unternehmen innovative Medikamente, um den medizinischen Bedarf von Patienten zu adressieren, die an schweren und potenziell lebensbedrohlichen Krankheiten leiden. Basilea Pharmaceutica AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz, und ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (SIX: BSLN). Für weitere Informationen besuchen Sie bitte die Unternehmens-Website [www.basilea.com](http://www.basilea.com).

### Ausschlussklausel

Diese Mitteilung enthält explizit oder implizit gewisse zukunftsgerichtete Aussagen betreffend Basilea Pharmaceutica AG und ihrer Geschäftsaktivitäten. Solche Aussagen beinhalten bekannte und unbekannte Risiken und Unsicherheitsfaktoren, die zur Folge haben können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, die Leistungen oder Errungenschaften der Basilea Pharmaceutica AG wesentlich von denjenigen Angaben abweichen können, die aus den zukunftsgerichteten Aussagen hervorgehen. Diese Mitteilung ist mit dem heutigen Datum versehen. Basilea Pharmaceutica AG übernimmt keinerlei Verpflichtung, zukunftsgerichtete Aussagen im Falle von neuen Informationen, zukünftigen Geschehnissen oder aus sonstigen Gründen zu aktualisieren.

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:

Peer Nils Schröder, PhD Head Public Relations & Corporate Communications +41 61 606 1102 <a href="mailto:media_relations@basilea.com">media_relations@basilea.com</a> <a href="mailto:investor_relations@basilea.com">investor_relations@basilea.com</a>
--

Diese Pressemitteilung ist unter [www.basilea.com](http://www.basilea.com) abrufbar.